

Inleiding

In Nederland worden patiënten behandeld met geneesmiddelen die een markttoelating hebben in de Europese Unie. Wanneer deze geneesmiddelen als genetisch gemodificeerde organismen (ggo) beschouwd worden moet, voorafgaand aan het gebruik van dit geneesmiddel als onderdeel van het markttoelatingsproces door het Europees Medicijn Agentschap (EMA), een milieuristicobeoordeling worden uitgevoerd volgens de 2001/18/EG richtlijn. Ook kan een patiënt deelnemen aan een klinische studie en daarmee toegang krijgen tot een experimentele behandeling die nog niet tot de Europese markt is toegelaten. In dat geval is – indien er sprake is van een ggo-geneesmiddel – een vergunning nodig onder het Besluit ggo. Informatie over deze vergunning is te vinden op [Loket Getherapie | Loket Getherapie](#). Een milieuviligheidsfunctionaris (MVF), welke werkzaam is bij de vergunninghouder, ziet toe op het gebruik van ggo-geneesmiddelen die nog niet tot de markt zijn toegelaten.

Compassionate use, named patient en de hospital exemption

In sommige gevallen kunnen patiënten toegang krijgen tot geneesmiddelen die nog niet door EMA zijn goedgekeurd en waar ze via een klinische studie geen toegang toe hebben. Dit kan op drie manieren: compassionate use, named patient use, en de hospital exemption.

Om in Nederland patiënten te kunnen behandelen volgens deze uitzonderingen is voor geneesmiddelen toestemming nodig van het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) of de Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd (IGJ) volgens de Geneesmiddelenwet. Wanneer er sprake is van een ggo-geneesmiddel, is er daarnaast ook een 2001/18/EG (Introductie in het Milieu) vergunning volgens de Wet Milieubeheer nodig.

Wat geldt in geval van compassionate use, named patient use, en de hospital exemption bij ggo-geneesmiddelen?

1. Compassionate use

Compassionate use is bedoeld voor een groep patiënten met een ernstige of levensbedreigende aandoening waarvoor geen andere behandelingen beschikbaar zijn. Het gaat om geneesmiddelen die in de laatste fase van onderzoek zitten, maar nog niet officieel zijn goedgekeurd. Het CBG moet toestemming geven voor gebruik in Nederland; de aanvraag verloopt meestal via het bedrijf of producent.

Zie voor meer informatie: [Compassionate use programma | College ter Beoordeling van Geneesmiddelen](#)

Indien het geneesmiddel een ggo is dan is voor de aanvraag voor compassionate use bij het CBG een 2001/18/EG toestemming nodig¹. Dit geldt voor zowel geneesmiddelen die nog in klinische studie zijn, als voor geneesmiddelen die reeds bij het EMA in aanvraag zijn.

In 2024 is door de staatssecretaris van IenW een brief naar de Tweede Kamer gestuurd ([Beleidsnota](#)

¹ Een milieuristicobeoordeling in de zin van artikel 2 van 2001/18/EG is nodig op basis van artikel 6, tweede lid, van Verordening 726/2004/EG in combinatie met artikel 83 van die Verordening. Toestemming van een andere lidstaat op basis van de 2009/41/EG is onvoldoende. Het CBG toetst of er een milieuristicobeoordeling zoals bedoeld in 2001/18/EG aanwezig is in geval van compassionate use met een gg-geneesmiddel.

Compassionate use, named patient en de hospital exemption in geval van ggo-geneesmiddelen

[Biotechnologie | Tweede Kamer der Staten-Generaal](#)) waarin staat dat een akkoord van het CBG op basis van compassionate use voldoende is om een ggo-geneesmiddel te mogen toepassen.

Er hoeft geen aanvullende aanvraag voor een IM-vergunning te worden gedaan in Nederland. Het betreffende geneesmiddel is al eerder beoordeeld onder de 2001/18/EG – mogelijk wel in een ander Europees land.

2. Named patient (levering op artsenverklaring)

Named patient is vergelijkbaar met compassionate use, maar geldt specifiek voor een individuele patiënt. Als een arts denkt dat een patiënt baat kan hebben bij een in Europa (nog) niet-goedgekeurd geneesmiddel, kan hij of zij dit aanvragen. Dit gebeurt bijvoorbeeld als er geen alternatieven zijn en het medicijn al ergens buiten Nederland is toegelaten.

De IGJ moet toestemming geven voor gebruik in Nederland. De aanvraag komt meestal van de behandelend arts.

Zie voor meer informatie: [Leveren op artsenverklaring | Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd](#)

Zoals voor alle ggo-geneesmiddelen die nog niet zijn toegelaten tot de Europese markt geldt dat er, naast de toestemming van de IGJ, een vergunning onder het Besluit ggo moet zijn. Als alternatief is een 2001/18 toestemming afdoende².

Indien er geen geldende 2001/18/EG toestemming bestaat, valt het geneesmiddel mogelijk onder de brede IM-vergunning³ van het behandelend academisch ziekenhuis, of is er een ander academisch ziekenhuis in Nederland dat een dergelijke vergunning via een kopie-aanvraag meestal binnen maximaal 28 dagen kan verkrijgen. Indien een brede IM-vergunning aanwezig is, dienen de (opgelegde) restricties en (aanvullende) voorschriften die volgen uit deze vergunning te worden nageleefd.

Als er geen 2001/18/EG verklaring is en geen (brede) ggo-vergunning onder het Besluit ggo waar het ggo-geneesmiddel onder valt, kunt u een reguliere aanvraag doen voor een IM-vergunning volgens het Besluit ggo. Dit vergunningverleningsproces kan tot 120 dagen duren; meestal hebben patiënten die onder de named patient uitzondering vallen het geneesmiddel urgenter nodig.

Heeft u geen 2001/18/EG verklaring waar het betreffende geneesmiddel onder valt, en is er geen vergunning onder het besluit ggo waar het betreffende geneesmiddel onder valt dan is toediening van het middel niet toegestaan volgens de Wet Milieubeheer, ook als u wel toestemming van de IGJ heeft volgens de Geneesmiddelenwet.

3. Hospital exemption

² Een vergunning op basis van artikel 3.2 van het Besluit ggo is noodzakelijk. Voor named patient wordt ook geaccepteerd dat er een milieurisicobeoordeling in de zin van artikel 2 van 2001/18/EG op basis van artikel 6, tweede lid, van Verordening 726/2004/EG van een andere lidstaat aanwezig is. Toestemming van een andere lidstaat op basis van de 2009/41/EG is onvoldoende. IGJ verwijst naar de ggo-regelgeving indien er een aanvraag voor named patient met een ggo-geneesmiddel komt.

³ Werkzaamheden met ggo-geneesmiddelen die vallen onder een 'brede' vergunning die is afgegeven onder het Besluit ggo kunnen enkel onder de verantwoordelijkheid van academische ziekenhuizen plaatsvinden en dienen onder toezicht van de aangestelde milieuveiligheidsfunctionaris plaats te vinden.

Compassionate use, named patient en de hospital exemption in geval van ggo-geneesmiddelen

Hospital exemption geldt voor geavanceerde therapieën (zoals gentherapie of celtherapie) die binnen een ziekenhuis worden gemaakt en toegediend. Het geneesmiddel hoeft dan geen volledige Europese goedkeuring te hebben, maar moet wel onder strenge voorwaarden in het ziekenhuis worden geproduceerd.

De IGJ moet toestemming geven voor bereiding volgens hospital exemption.

Zie voor meer informatie [ATMP zonder handelsvergunning | Geneesmiddelen | Inspectie Gezondheidszorg en Jeugd](#)

Voor hospital exemption geldt volgens de Wet Milieubeheer dat er voor ggo-geneesmiddelen, naast de toestemming van de IGJ, een geldende vergunning onder het Besluit ggo moet zijn.

Mogelijk valt het geneesmiddel onder de brede IM-vergunning⁴ van het behandelend academisch ziekenhuis, of is er een ander academisch ziekenhuis in Nederland dat een dergelijke vergunning via een kopie-aanvraag meestal binnen maximaal 28 dagen kan verkrijgen. Indien een brede IM-vergunning aanwezig is, dienen de (opgelegde) restricties en (aanvullende) voorschriften die volgen uit deze vergunning te worden nageleefd.

Als er geen (brede) ggo-vergunning onder het Besluit ggo is waar het ggo-geneesmiddel onder valt, kunt u een reguliere aanvraag doen voor een IM-vergunning volgens onder het Besluit ggo. Dit vergunningverleningsproces kan tot 120 dagen duren.

Is er geen vergunning afgegeven onder het Besluit ggo waar het betreffende geneesmiddel onder valt, dan is de toediening van het middel niet toegestaan volgens de Wet Milieubeheer, ook als u wel toestemming van de IGJ heeft volgens de Geneesmiddelenwet.

⁴ Werkzaamheden met ggo-geneesmiddelen die vallen onder een 'brede' vergunning die is afgegeven onder het Besluit ggo kunnen enkel onder de verantwoordelijkheid van academische ziekenhuizen plaatsvinden en dienen onder toezicht van de aangestelde milieuviligheidsfunctionaris plaats te vinden.